



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/669922/2022  
EMA/H/C/005378

## Nulibry (*fosdenopterín*)

Prehľad o lieku Nulibry a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Nulibry a na čo sa používa?

Nulibry je liek, ktorý sa používa na liečbu pacientov s nedostatkom molybdenového kofaktora (MoCD) typu A.

MoCD typu A je dedičné ochorenie, pri ktorom pacienti nemajú dostatok látky nazývanej molybdénový kofaktor, molekulu potrebnú na tvorbu určitých enzýmov. Bez týchto enzýmov sa toxické chemické siričitany hromadia v mozgu, čo spôsobuje poškodenie mozgu.

V prípade formy ochorenia typu A je neprítomnosť molybdénového kofaktora spôsobená tým, že pacienti nemajú látku nazývanú cyklický pyranopterín monofosfát (cPMP), ktorý telo potrebuje na výrobu molybdénového kofaktora.

MoCD typu A je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Nulibry 20. septembra 2010 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť [tu](#).

Liek Nulibry obsahuje liečivo fosdenopterín.

### Ako sa liek Nulibry používa?

Výdaj lieku Nulibry je viazaný na lekársky predpis. Liečbu liekom Nulibry má začať a sledovať zdravotnícky pracovník, ktorý má skúsenosti s liečbou dedičných metabolických porúch.

Liek Nulibry sa podáva vo forme infúzie (na kvapkanie) do žily raz denne. Odporúčaná dávka je 0,90 mg na kilogram telesnej hmotnosti. U pacientov mladších ako jeden rok sa odporúča nižšia začiatková dávka a titračný harmonogram. Začiatková dávka a harmonogram titrácie závisia od gestačného veku pri narodení. Liečba musí pokračovať celý život, ak je ochorenie potvrdené genetickým testovaním.

Viac informácií o používaní lieku Nulibry si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

### Akým spôsobom liek Nulibry účinkuje?

Liečivo lieku Nulibry, fosdenopterín, je syntetická forma cPMP. Keďže pacienti s MoCD typu A nemajú dostatok cPMP, liek účinkuje tak, že nahrádza túto látku. Telo následne používa túto látku na produkciu

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



molybdénového kofaktoru, ktorý mu umožňuje začať produkovať enzýmy závislé od molybdénu a znižovať hladinu siričitanov v mozgu.

## **Aké prínosy lieku Nulibry boli preukázané v štúdiách?**

Prínosy lieku Nulibry sa skúmali v piatich hlavných štúdiách, na ktorých sa zúčastnilo celkovo 52 pacientov s MoCD typu A. V štúdiách sa skúmal účinok lieku Nulibry na prežitie po jednom roku liečby. Výsledky u 15 pacientov liečených liekom Nulibry sa porovnávali s historickými údajmi z dvoch štúdií, na ktorých sa zúčastnilo 37 pacientov, ktorí neužívali liek Nulibry ani žiadnu inú liečbu. Po jednom roku bolo nažive asi 93 % pacientov liečených liekom Nulibry v porovnaní s približne 75 % pacientov, ktorí nedostávali žiadnu liečbu. Zo štúdií tiež vyplynulo, že včasná liečba liekom Nulibry (t. j. pred vznikom veľkého poškodenia mozgu) zachováva schopnosť užívať jedlo ústami a zlepšuje rast a vývoj motorických (pohybov) a kognitívnych (duševných) funkcií.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Nulibry?**

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Nulibry (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú komplikácie súvisiace s katétrom (trubicou), ktorým sa podáva liek.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení pozorovaných pri používaní lieku Nulibry sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Prečo bol lie Nulibry povolený v EÚ?**

Keďže MoCD typu A je veľmi zriedkavé ochorenie, štúdie boli malé, ale preukázalo sa, že liek Nulibry je účinný pri zlepšovaní prežitia pacientov s MoCD typu A. Zo štúdií tiež vyplýva, že včasná liečba liekom Nulibry zlepšuje kvalitu života pacientov a oddaluje progresiu ochorenia. Doteraz pozorované vedľajšie účinky sa považujú za zvládnuteľné. Vzhľadom na závažnosť tohto ochorenia a nedostatok existujúcich terapií Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Nulibry sú väčšie ako jeho riziká a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Nulibry bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Nulibry. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

## **Aké informácie o lieku Nulibry dosiaľ neboli predložené?**

Keďže liek Nulibry bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek Nulibry uvádza na trh, každoročne predloží aktualizované údaje o všetkých nových informáciách týkajúcich sa bezpečnosti a účinnosti lieku Nulibry. Spoločnosť okrem toho uskutoční štúdiu u pacientov s MoCD typu A liečených liekom Nulibry v klinickej praxi a predloží jej výsledky s cieľom ďalej charakterizovať dlhodobú bezpečnosť a účinnosť lieku.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Nulibry?**

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Nulibry na trh, poskytne vzdelávací materiál všetkým zdravotníckym pracovníkom, od ktorých sa očakáva, že budú predpisovať liek Nulibry. Ten sa má poskytnúť pacientom alebo opatrovateľom, od ktorých sa očakáva, že budú liek Nulibry používať v domácom prostredí. Tento materiál bude obsahovať pokyny na používanie lieku a denník infúzie.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Nulibry boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Nulibry sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Nulibry sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Nulibry**

Ďalšie informácie o lieku Nulibry sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nulibry).